

<本件に関する連絡先>

国立研究開発法人国立成育医療研究センター
広報企画室

電話：03-3416-0181

Email: koho@ncchd.go.jp

報道関係者 各位

【「ラジオ波^{しょうしゃくじゅつ}焼灼術^{むしんたいそうたい}」が無心体双胎の治療法として適応拡大】

～治験を経ずに保険適用へ導いた、国立成育医療研究センターの取り組みを学会で発表～

今年3月、肝がんの治療法である「ラジオ波^{しょうしゃくじゅつ}焼灼術^{むしんたいそうたい}」が、無心体双胎 TRAP sequence の治療法として保険適用されました。本来は、治験などを経て認められるのですが、無心体双胎は稀少疾患であるため治験が難しく、今回はこれまでの治療実績から蓄積されたデータをまとめるなどし、治験を経ずに認められました。

全国の胎児治療を行っている医師を中心とした研究班（研究代表者：左合治彦 国立成育医療研究センター周産期・母性診療センター長）と国立成育医療研究センター臨床研究センターの開発薬事専門家らは、今月14日に開催される「第55回日本周産期・新生児医学会学術集会」で、今回の保険適用に至った経緯を発表いたします。

プレスリリースのポイント

- 極めて稀な疾患である無心体双胎 TRAP sequence の治療法として、ラジオ波焼灼システムが適応拡大の薬事承認を受け、TRAP sequence に対するラジオ波焼灼術が保険収載されました。
- 治験の実施が難しい希少疾患において、実績データ（学術論文、ガイドライン等）にもとづいて、治験を行うことなく適応拡大の薬事承認が得られ、保険収載がなされました。
- 今後は、無心体双胎 TRAP sequence に対するラジオ波焼灼術が、保険診療として実施されます。実施にあたっては、無心体双胎に対する十分な経験を有する医師のもとで、関連学会による適正使用指針に従って行う必要があります。

背景

無心体双胎とは、通常の胎児と、人としての構造を有さず出生しても成育しない無心体との双胎です。我が国でも、年間30症例程度と極めて稀な疾患です。無心体双胎において、胎盤表面の血管と血管の吻合を通して、本来健常な胎児（ポンプ児）から無心体への血流が生じることがあり、これを TRAP sequence と呼びます。この状態になると、ポンプ児の心臓に負荷がかかり、そのまま経過すると、その死亡率は約6割とも報告されています。ポンプ児を救命するためには、無心体に流入している血流を遮断する治療が必要であり、肝がんの治療法であるラジオ波焼灼術を応用した胎児治療が、国内外で行われていました。しかしこの治療法は保険診療として認められていなかったため、治療にかかる費用は、患者さんの自己負担あるいは病院負担として行われていました。患者さんの費用負担を軽減し、また安心して治療を受けてもらうためにも、この治療法の有効性と安全性を示し、この治療に用いる医療機器（ラジオ波焼灼システム）の適応を拡大して、この治療法が保険収載されることが望ましいと考えられました。

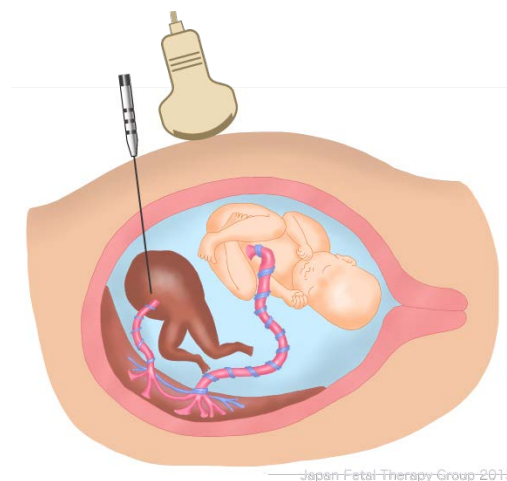
成果

全国の胎児治療を実施している医師を中心とした研究班（研究代表者：左合治彦[国立成育医療研究センター周産期・母性診療センター長]）と国立成育医療研究センター臨床研究センターの開発薬事専門家らが協力して、医師主導治験実施に向けて研究費を獲得しました。しかし、患者数が少なく、企業の協力が得られないことなどから、治験の実施が難しい現実がありました。そこで、厚生労働省、PMDA の担当者を含む関係者との相談を重ね、我が国での治療成績をまとめた学術論文、国内外の文献の系統的レビューを行い、臨床評価報告書の基礎となる資料を作成し、これをもとに企業による適応拡大の申請が行われることとなりました。また、この治療法が適切に実施されるように、適性使用指針のもととなる資料も作成しました。このような努力が実を結び、実績データ（学術論文、ガイドライン等）にもとづいて安全性・有効性を評価することで、治験を行うことなく、企業による適応拡大の申請がなされ、平成 30 年 7 月に薬事承認が得られ、平成 31 年 3 月に保険収載されました。

今後の展望・コメント

今後は、無心体双胎 TRAP sequence に対するラジオ波焼灼術が、保険診療として実施されます。実施にあたっては、無心体双胎に対する十分な経験を有する医師のもとで、関連学会による適正使用指針に従って行う必要があります。治験の実施が難しい希少疾患において、治験なしで薬事承認が得られたのは、規制当局担当者の現場の状況と治療の有効性・安全性の評価を踏まえた規制科学的判断によると考えられます。医療現場における治療法の統一化、有効性・安全性に関する治療実績の蓄積、診療および研究データの質の担保、論文発表、開発薬事専門家等との連携の重要性なども認識されました。

【無心体双胎に対するラジオ波焼灼術の模式図】



【学会発表情報】

学術集会：第 55 回日本周産期・新生児医学会学術集会 (<http://jsppnm55.umin.jp/index.html>)

題名：無心体双胎に対するラジオ波焼灼術の適応拡大・保険収載に向けた取り組み

演者：永田知映^{1, 2} 杉林里佳² 和田誠司² 住江正大³ 高橋雄一郎⁴ 石井桂介⁵ 村越毅⁶ 室月淳⁷
左合治彦²

1. 国立成育医療研究センター臨床研究センター
2. 国立成育医療研究センター周産期・母性診療センター
3. 福岡市立こども病院産科
4. 岐阜県総合医療センター胎児診療科
5. 大阪母子医療センター産科
6. 聖隷浜松病院総合周産期母子医療センター産科
7. 宮城県立こども病院産科

日時：2019 年 7 月 14 日発表予定